

# Maladies rares: action européenne

2008/0218(CNS) - 31/03/2009

En adoptant le rapport de M. Antonios TRAKATELLIS (PPE-DE, EL), la commission de l'environnement, de la santé publique et de la sécurité alimentaire a amendé, dans le cadre de la procédure de consultation, la proposition de recommandation du Conseil relative à une action européenne dans le domaine des maladies rares.

Les députés souhaitent que les États membres élaborent et adoptent, d'ici la fin 2010 (plutôt que fin 2011), une stratégie globale et intégrée destinée à orienter et structurer toutes les actions pertinentes dans le domaine des maladies rares, sous la forme d'un plan national de lutte contre les maladies rares.

Les principaux amendements portent sur les recommandations aux États membres et soulignent les points suivants :

- les plans nationaux devraient inclure des mesures de prévention primaire, ainsi que la rééducation et le fait d'apprendre à vivre avec la maladie ;
- les actions prioritaires devraient être assorties de financements significatifs et bien identifiés ;
- les États membres devraient déclarer s'ils sont dotés de centres spécialisés et s'ils disposent d'un catalogue d'experts.

Les députés ont introduit de **nouvelles recommandations aux États membres**. Ces derniers devraient ainsi:

- encourager les efforts consentis pour prévenir les maladies rares qui sont héréditaires, via: a) des conseils génétiques aux parents porteurs de la maladie; et b) lorsque cela s'impose, sans préjudice de la législation nationale existante et toujours sur une base volontaire, une sélection d'embryons sains avant l'implantation ;
- prévoir des mesures exceptionnelles relatives à la mise à disposition de médicaments n'ayant pas d'autorisation de mise sur le marché lorsqu'il y a un réel besoin de santé publique; et, en l'absence d'alternative thérapeutique appropriée et disponible dans un État membre et lorsque le rapport bénéfice/risque est présumé positif, faire en sorte que l'accès aux médicaments soit donné aux patients atteints de pathologies rares ;
- mettre sur pied au niveau national des groupes consultatifs pluralistes réunissant toutes les parties concernées pour orienter les gouvernements dans l'établissement et la mise en œuvre de plans d'action nationaux ;
- encourager le financement du traitement des maladies rares à l'échelle nationale. Lorsque des États membres ne souhaitent pas ou ne peuvent pas avoir des centres d'excellence, ce fonds central national devrait être utilisé pour garantir que les patients peuvent se rendre dans un centre établi dans un autre pays ;
- soutenir, en particulier par des moyens financiers, au niveau européen, national ou régional, les réseaux d'information, les registres et les bases de données spécifiques relatifs aux maladies, où figurent notamment des informations régulièrement mises à jour accessibles au public par l'internet;
- encourager le partage des connaissances et la coopération entre, d'une part, les chercheurs, les laboratoires et les projets de recherche de l'Union européenne et, d'autre part, les institutions analogues dans les pays tiers, afin de dégager des avantages non seulement pour l'Union, mais aussi pour les pays pauvres ;
- mettre en place un financement adéquat et à long terme, notamment via des partenariats public-privé, afin de soutenir les efforts de recherche aux niveaux national et européen et d'en garantir la viabilité;
-

encourager, éventuellement moyennant un financement ou un cofinancement de l'Union européenne, les centres et les hôpitaux d'expertise à mettre sur pied pour les professionnels une formation spécifique sur certaines maladies rares ;

- les lignes directrices européennes relatives au dépistage au sein de la population et aux tests diagnostiques devraient inclure les tests génétiques comme le test de dépistage de l'hétérozygote et le diagnostic par biopsie du corps polaire, qui garantissent une expérimentation de très haute qualité et la possibilité d'apporter des conseils génétiques adaptés, tout en respectant la diversité éthique au sein des États membres ;
- garantir que des financements soient prévus pour les organisations de patients qui ne soient pas directement liés à une société pharmaceutique particulière et faciliter l'accès des patients aux informations qui existent au niveau européen concernant les médicaments et les traitements.

**La Commission** devrait pour sa part soutenir, de manière durable, « **Orphanet** », site internet et « guichet unique » européen fournissant des informations sur: les travaux de recherche sur les maladies rares, leurs résultats et la manière dont les patients peuvent en disposer; les médicaments disponibles pour chaque maladie rare; les traitements disponibles dans chaque État membre pour les différentes maladies rares; les centres médicaux spécialisés dans le traitement des maladies rares dans les États membres et dans les pays tiers.

Enfin, la Commission devrait présenter son **rapport** sur l'application de recommandation, sur la base des informations fournies par les États membres, au plus tard à la fin de 2012, année où elle proposera les mesures d'exécution couvrant notamment: a) les mesures budgétaires nécessaires à l'efficacité du programme communautaire relatif aux maladies rares; b) la création de réseaux pertinents de centres d'expertise; c) la collecte de données épidémiologiques sur les maladies rares; d) la mobilité des experts et des professionnels; e) la mobilité des patients; et f) l'examen de la nécessité d'entreprendre d'autres actions pour améliorer la vie des patients atteints de maladies rares et de leurs familles.